



NOVES TERÀPIES AMB CÈL·LULES MARE PER A LA DISTRÒFIA MUSCULAR DE DUCHENNE

Antonio L. Serrano Sánchez

Facultat Ciències Salut i Vida – UPF, Barcelona

Francesco Saverio Tedesco

Cell and Developmental Biology - University College, London

Giulio Cossu

Centre For Tissue Injury and Repair - University of Manchester (UK)

Quin era l'objectiu del projecte?

La distròfia muscular de Duchenne (DMD) és la forma més comuna i severa de la distròfia muscular, és letal i està causada per l'absència del gen de la distrofina. Com a resultat de la inestabilitat de la membrana cel·lular, les fibres musculars dels pacients pateixen cicles repetits de degeneració i posterior regeneració. Durant aquest procés, la inflamació persistent i la necrosi condueixen a la substitució de miofibres per cèl·lules adiposes i teixit fibrós no funcional. Les teràpies basades en cèl·lules són estratègies molt prometedores per restaurar la funcionalitat del gen de la distrofina i tractar la distròfia muscular.

El nostre objectiu era obtenir cèl·lules derivades de ratolí i humà genèticament corregides per ser utilitzades per a la teràpia cel·lular, per reduir així la inflamació crònica i la fibrosi muscular, pas necessari per a l'èxit de les teràpies basades en cèl·lules.

Què han descobert?

S'han establert les condicions necessàries per obtenir cèl·lules murines i humanes en què la manca de distròfia s'ha corregit genèticament. El comportament d'aquestes cèl·lules s'ha caracteritzat pel que fa a la seva capacitat de produir distrofina, la seva capacitat de diferenciació i la d'autorenovació *in vitro* i *in vivo*. També s'ha mostrat com la modificació de l'equilibri entre els diferents tipus de resposta inflamatòria (Th1 / Th2) influeix en el desenvolupament de la fibrosi durant la distròfia muscular.

Quina aplicació pràctica tindrà aquest resultat?

La implicació pràctica dels resultats és de vital importància per a l'establiment de nous assajos clínics basats en l'ús de cèl·lules genèticament corregides dirigides al tractament de la distròfia muscular, donat que aquestes cèl·lules necessiten expressar de manera eficient la proteïna corregida. S'ha d'obtenir un nombre suficient de cèl·lules després del trasplantament i necessiten empeltar-se de forma eficient en el teixit del pacient malalt.